



Gifu Pharmaceutical University

1-25-4 Daigaku-Nishi, Gifu 501-1196, JAPAN Phone +81-(0)58-230-8100

Fax +81-(0)58-230-8105

拝啓

初秋の候、皆様におかれましては、ますますご清祥のことと心よりお喜び申し上げます。平素は格別のお引き立てにあずかり、厚くお礼申しあげます。

さて、岐阜薬科大学グローバル・レギュラトリー・サイエンス寄附講座主催により、下記のように講演会を開催いたしますので、ご案内申し上げます。臨床試験・研究等の実施が難しい小児医薬品開発領域には、希少疾患はじめ他領域の医薬品開発に参考になる情報も多く含まれています。ご多忙中とは存じますが、万障お繰り合わせの上、ご参加下さいますようお願い申し上げます。

敬具

平成27年9月吉日

岐阜薬科大学

学長 稲垣 隆司

特任教授 塚本 桂

客員教授 竹中 登一

記

第3回 岐阜イノベーション講演会 (国際シンポジウム)

What can we do for Pediatric Drug Development – Past, Present, and Future –

小児医薬品開発のために – 過去、現在、未来 –

日 時：平成27年10月8日 (木) 12:00~17:00

会 場：岐阜薬科大学本部 第一講義室 150席 (岐阜県岐阜市大学西1-25-4)

シンポジスト: K. Carroll 博士 (Ann & Robert H. Lurie シカゴ小児病院)、D. Brasseur 教授 (ULB 大学病院小児科、EMA 専門委員)、中村秀文博士 (国立成育医療研究センター)、加藤善一郎教授 (岐阜大学医学部、連合創薬)、越阪部正徳先生 (ノーベルファーマ)、塚本桂特任教授 (岐阜薬科大学)

後 援：医薬品医療機器総合機構、日本薬学会、レギュラトリーサイエンス学会、日本小児神経学会、日本小児臨床薬理学会

参 加 費：無料 (事前予約可能)

備 考：英語での開催 (通訳無、一部日本語有)

以上



岐阜薬科大学 — グローバル・レギュラトリー・サイエンス

第3回 岐阜イノベーション講演会 国際シンポジウム

小児医薬品開発のために—過去、現在、未来—


一般に小児を対象とした医薬品開発は、その特殊性や患者数の少なさから、成人の医薬品開発に比し後手に回っています。医療現場では小児患者を救うために様々な治療がなされており、止むを得ず小児適応の無い医薬品も使用されています。しかし機能的にも形態的にも未発達である小児は成人のスケールダウンではなく、一義的に成人に承認された医薬品を使用することは有効性の面でも安全性の面でも問題が有ります。さらに適応外使用は、保険償還や副作用救済などがされない恐れを含んでいるのみならず、医師が治療を躊躇する原因ともなり、小児患者が不利益を被る可能性があります。このような「Therapeutic Orphan」となっている現状を改善すべく、様々な取り組みがなされています。我が国においては、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」の導入後、小児を対象とした臨床試験実施数が増加しており、また、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議による勧告によって、小児適応を有する医薬品の承認数は増加していますが、全体の2割程度と依然として成人医薬品開発の後塵を拝しています。我々は、必要としている全ての小児患者に適切な医薬品を届け、同時に不必要な臨床試験に小児患者が晒されないようにするために、何ができるのでしょうか。次世代を担う子供たちに、本当に有益な医薬品を提供する行動を起こさねばなりません。

今回、法的枠組みにより小児医薬品開発を推進している欧米、そして我が国の現状を共有し、今後の展望、期待を議論することにより、この難題に英知を結集して立ち向うことを目的として本シンポジウムを開催します。

日時：2015年10月8日(木) 12:00-17:00

場所：岐阜薬科大学(本部)、第一講義室

住所：岐阜市大学西1-25-4

後援：医薬品医療機器総合機構 、日本薬学会、レギュラトリーサイエンス学会、日本小児神経学会、日本小児臨床薬理学会

講演会は英語で行われます(一部日本語あり)。参加無料(150席先着順、事前登録も可能)

日本薬剤師研修センター単位認定(2単位、小児薬物療法認定薬剤師としても単位認定可)

シンポジスト(順不同)

Kelly A. Carroll博士(Research Scientist Navigator, Ann & Robert H. Lurie Children's Hospital of Chicago)、Daniel Brasseur博士(EMA専門委員、AFMPS-FAMHP専門委員、ULB病院小児科医)、中村秀文博士(国立成育医療研究センター)、加藤善一郎教授(岐阜大学医学部、連合創薬)、越阪部正徳先生(ノーベルファーマ)、塚本桂(岐阜薬科大学)



連絡先

岐阜市大学西1-25-4

岐阜薬科大学 グローバル・レギュラトリー・サイエンス寄附講座

特任教授 塚本 桂

TEL&FAX: 058-230-8103, email: tsukamoto@gifu-pu.ac.jp





Global Regulatory Science, Gifu Pharmaceutical University

3rd Gifu Innovation Lecture

International Symposium

What we can do for Pediatric Drug Development – Past, Present and Future –

Many commonly used pediatric drugs have not been empirically tested in children. These drugs are called ‘therapeutic orphans.’ The off-label use of these drugs increases the risk of adverse events and may overstate efficacy. National and international agencies acknowledge the need to solve this problem but both operational difficulties and low profit margins make pediatric drug development difficult.

The purpose of the symposium is to share knowledge about drug development in pediatric patients, as well as to discuss problems, regulations, and perspectives in EU, US and Japan. It is hoped that the symposium will both encourage international cooperation in this field and stimulate workers in Japan.

- Date : October 8, 2015 (12:00-17:00)
Place : No.1 lecture hall in Gifu Pharmaceutical University (150 seats)
Address : 1-25-4, Daigakunishi, Gifu, 501-1196, Japan
Admission : Free (you may reserve your seat by contacting us in advance)
Supporters :  FDA, Society for Regulatory Science of Medical Products, Pharmaceutical Society of Japan, Japan Society of Developmental Pharmacology and Therapeutics, Japanese Society of Child Neurology

Symposiasts

Dr. Kelly A. Carroll (Research Scientist Navigator, Ann & Robert H. Lurie Children’s Hospital of Chicago), Prof. Daniel Brasseur (Université libre de Bruxelles Hospital, EMA CHMP & PDCO member), Dr. Hidefumi Nakamura (Director, Clinical research development center, National Center for Child Health and Development), Prof. Zenichiro Kato (Gifu University Graduate School of Medicine, United Graduate School of Drug Discovery and Medical Information Science), Mr. Masanori Osakabe (Director, R&D, Nobelparma Co., Ltd.), Prof. Katsura Tsukamoto (GRS, GPU)



Contact information

Katsura Tsukamoto, PhD.
Global Regulatory Science, Gifu Pharmaceutical University
1-25-4 Daigakunishi, Gifu, 501-1196, Japan
TEL&FAX: +81-58-230-8103, email: tsukamoto@gifu-pu.ac.jp



第3回 岐阜イノベーション講演会（国際シンポジウム）

岐阜薬科大学 グローバル・レギュラトリー・サイエンス寄附講座
塚本桂（特任教授）、松丸直樹（特任助教）、竹中登一（客員教授）

講演会テーマ

What can we do for Pediatric Drug Development – Past, Present, and Future –

小児医薬品開発のために –過去、現在、未来–

一般に小児を対象とした医薬品開発は、その特殊性や患者数の少なさから、成人の医薬品開発に比し後手に回っています。医療現場では小児患者を救うために様々な治療がなされており、止むを得ず小児に関する記載が添付上に無い医薬品も適応外使用されています。しかし機能的にも形態的にも未発達である小児は成人のスケールダウンではなく、一義的に成人に承認された医薬品を使用することは有効性の面でも安全性の面でも問題があります。さらに適応外使用は、保険償還、有害事象発生、副作用救済などの問題を含んでいるのみならず、治療を躊躇する原因ともなり、小児患者が不利益を被る可能性があります。このような「Therapeutic Orphan」となっている現状を改善すべく、様々な取り組みがなされています。我が国においては、「新薬創出・適応外薬解消等促進加算」の導入後、小児を対象とした臨床試験実施数が増加しており、また、医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議による勧告によって、小児適応を有する医薬品の承認数は増加していますが、全体の2割程度と依然として成人医薬品開発の後塵を拝しています。このように臨床試験・研究の実施が難しい小児医薬品開発領域は、希少疾患などと同様にアカデミアが牽引していくべき領域ではないでしょうか。我々は、必要としている全ての小児患者に適切な医薬品を届けること、同時に不必要な臨床試験に小児患者が晒されないようにするために、何ができるのでしょうか。次世代を担う子供たちに、本当に有益な医薬品を提供する行動を起こさねばなりません。

今回、法的枠組みにより小児医薬品開発を推進している欧米、そして我が国の現状を共有し、今後の展望、期待を議論することにより、この難題に英知を結集して立ち向うことを目的として本シンポジウムを開催します。医薬品開発が困難な小児領域の情報は、希少疾患を含め他領域の医薬品開発にとっても有益な情報が多く含まれていることでしょう。是非、ご参加ください。

日 時：2015年10月8日（木）、12:00～17:00

場 所：岐阜薬科大学 本部（岐阜市大学西 1-25-4、代表 058-230-8100）

座 長：K. Carroll 博士（Ann & Robert H. Lurie シカゴ小児病院）、塚本桂（岐阜薬科大学）

演 者：6名（K. Carroll 博士、D. Brasseur 教授（ULB 大学病院小児科、EMA 専門委員）、
中村秀文博士（国立成育医療研究センター）、加藤善一郎教授（岐阜大学医学部、連合
創薬）、越阪部正徳先生（ノーベルファーマ）、塚本桂）

講 演：各シンポジスト 45分程度（質疑 5分程度を含む）

総合討論：45分程度

対 象：医療関係者、規制当局関係者、製薬企業関係者、本学職員及び学生、その他

参加費：無料（150席、事前予約可能）

後援：医薬品医療機器総合機構、日本薬学会、レギュラトリーサイエンス学会、日本小児神経学会、
日本小児臨床薬理学会

問合せ先：岐阜薬科大学 グローバル・レギュラトリー・サイエンス寄附講座

特任教授 塚本 桂 (tsukamoto@gifu-pu.ac.jp)

TEL 058-230-8103 FAX 058-230-8105

最新情報は研究室ホームページに記載されます (<http://www.gifu-pu.ac.jp/lab/regulatory/>)

プログラム（予定）

- ① 開会挨拶（稲垣隆司学長、岐阜薬科大学）
- ② シンポジウムを開催するにあたって（塚本桂特任教授、岐阜薬科大学）
- ③ 日本の現状と問題点（中村秀文先生、国立成育医療研究センター）
- ④ EUの現状と問題点（D. Brasseur 教授、ULB&EMA/FAMHP 専門委員）
- ⑤ 小児医薬品開発の現状～企業の立場から（越阪部正徳先生、ノーベルファーマ）
- ⑥ 小児臨床のための定量的評価～脊髄性筋萎縮症患者における定量的な臨床運動機能評価法の確立
（加藤善一郎教授、岐阜大学医学部）
- ⑦ 小児臨床試験の運営～米国における取り組み（K. Carroll 先生、Ann & Robert H. Lurie 小児病院）
- ⑧ 総合討論

シンポジウムは英語で開催されます（一部日本語もあり）。

講師紹介（順不同）

ケリー・A・キャロル博士（アン&ロバート・ルーリー記念シカゴ小児病院）

1985年バルパライソ大学卒業、1988年アーカンソー大学大学院修了、1993年アーカンソー大学にて博士（心理学）を取得後、シカゴ大学、ノースウェスタン大学において心理学や臨床試験コーディネーターなどを教育・研究に従事。2009年からはノースウェスタン大学大学院レギュラトリーコンプライアンスサイエンスのインストラクターおよびディレクター（現在は教授）。2014年よりシカゴ小児病院にてリサーチ・サイエンス・ナビゲーターとして臨床研究全般をサポートしている。また、IRB委員、カリキュラム委員会、臨床研究専門教育委員会等のメンバーとして活躍している。その間、ケンブリッジ・チューター賞、ノースウェスタン・ベスト・プラクティス賞などの表彰を受けている。

ダニエル・ブラッスール教授（ブリュッセル自由大学、EMA CHMP&PDCO メンバー）

1976年ブリュッセル自由大学にて博士（医学）を取得後、同大学病院小児科で研修医として勤務され、1981年小児科医のライセンスを取得。なお1979-1981年はコンゴおよびルワンダにてユニセフ・WHOの活動に従事。1982年から同大学病院小児救急部門長、1988年から教授兼小児栄養・代謝病部門長として勤務。この間、新生児栄養、新生児感染症などに関連した、学内およびEU内研究を主導。臨床、教育および研究の傍ら1992年よりベルギー保健省の専門員、1997年からEMAのCHMPメンバー（2001-2007年は議長）、2007年から7年間PDCO議長を務め、EUでの小児医療専門家として活躍中。

中村秀文博士（国立成育医療研究センター・臨床研究開発センター長）

1987年九州大学医学部を卒業、1991年久留米大学にて博士（医学）を、また同年小児専門医を取得後、1991年から6年間カナダ・トロント大学小児病院に留学。カナダ、米国医師資格を取得し、1996-1999年にケース・ウェスタン・リザーブ大学レインボー乳児小児病院にてクリニカル・フェロー。帰国後、久留米大学小児科助手、医薬品医療機器審査センターを経て、2002年より国立成育医療研究センターで臨床および研究に従事するとともに小児医薬品開発などのコンサルテーションを実施。同時にPMDA専門委員、厚生労働省専門委員を務め、2010年より未承認薬・適応外薬検討会議の議長も務める。また、日本小児科学会、日本小児臨床薬理学会など関連学会の理事などとしても活躍中。

加藤善一郎教授（岐阜大学大学院連合創薬医療情報研究科、大学院医学系研究科（小児病態学））

1990年岐阜大学医学部を卒業、同小児科に入局し臨床医として研鑽。1997年岐阜大学にて博士（医学）を取得後、同大学病院に勤務、1997-2000年奈良先端科学技術大学院大学にて、NMRによるタンパク立体構造解析について学ぶ。2005-2008年ハーバード大学分子細胞生物学に留学し、帰国後2010年より岐阜大学医学部附属病院小児科准教授、2011年同大学院医学系研究科臨床教授、2014年より現職。小児神経発達学の臨床、神経難病などの病因タンパク原子解像度立体構造解析・構造基盤創薬研究を進める一方、特に、神経難病治療評価法としての3次元運動解析法の確立を岐阜薬科大学とともに進めている。

越阪部正徳先生（ノーベルファーマ株式会社 研究開発本部長）

1982年東京大学薬学部を卒業、1984年東京大学にて修士（薬学）を修了後、三菱化成工業株式会社（現三菱化学ホールディングス）に入社。1989年まで薬理研究者として血液凝固系研究に従事。1989年から抗トロンビン薬の臨床開発・申請業務に従事。その後、プロジェクトマネージャー、グループマネージャーを経て2003年よりグローバルプロジェクト部部长として抗トロンビン薬などの欧州開発を手掛ける。2008年より田辺三菱製薬株式会社の米国開発子会社社長。2010年帰国後、各部門長を歴任。2014年同社を退社しノーベルファーマ入社。現職としてワクチンを含む幾つかの医薬品開発に従事。

塚本桂特任教授（岐阜薬科大学グローバル・レギュラトリー・サイエンス寄附講座）

1989年岐阜薬科大学卒業後、株式会社三和化学研究所に入社。薬理研究者として、創薬探索研究から開発、市販後研究まで従事。この間、2001年岐阜薬科大学にて博士（薬学）を取得。2003年から大分医科大学薬理学教室研究員、2004年から2年間ベルギー・ルーヴェン大学医学部生化学ポストドクトラル・フェローとして、膵β細胞生理学・分子生物学に従事。2006年帰国後より主任研究員として膵β細胞再生医療基礎研究、研究所チームリーダーとしてDPP4阻害剤の市販後研究、高尿酸血症治療剤の申請などに従事。2013年同社退職し、現職就任。